

変革期を迎える製薬業界

— AIと医療ビッグデータ —



MITSUI & CO.
GLOBAL STRATEGIC
STUDIES INSTITUTE

三井物産戦略研究所
産業社会情報部産業調査室
木下 美香

Summary

- 製薬業界は、テクノロジーの進化により変革期を迎えている。人工知能（AI）を創薬に活用することで創薬プロセスの課題を解決し、開発にかかる期間およびコストを削減することが期待されている。
- AI技術の進化によって、迅速な疾患標的の特定や何十億もの候補物質の中から有望な候補品を効率的に絞り込むことが可能となり、近年、独自のAI技術を保有する企業と製薬企業の提携が増加している。
- AI技術を活用した医療ビッグデータの統合的解析によって疾患の理解が深まることで、個別化医療の進展や解析データの利活用による創薬開発の成功率向上が期待されている。

1. 製薬業界の変遷と創薬開発における課題

1-1. 製薬業界の変遷

製薬業界の動向は、1990年代、2000年代後半、2010年代後半から現代に至るまで、それぞれ最盛期、転換期、模索期と分類できる（図表1）。

1990年代、最盛期の創薬は、化学合成による小さい分子サイズ¹の「低分子医薬品」が中心だった。長年にわたる研究の積み重ねにより関連技術はおおよそ確立されており、そのため開発コストは比較的安く抑えられ「ブロックバスター²」が次々と創出された。また、当時の製薬企業は閉鎖的で、新薬開発の全てを自社で行う「自前主義」で進めていた。

2000年代後半に入り、製薬業界は、相次ぐブロックバスターの特許切れを目前に転換期を迎える。特許が切れると、より安価なジェネリック医薬品（後発品）が市場に登場し、先発品であるブロックバスターのシェアは急速に奪われ、大手製薬企業の売り上げが激減した³。また、この頃になると開発しやすい医薬品候補は一通り開発し尽くされ、シーズが枯渇し始めた。さらに、新薬には既存薬を上回る効果や新たな

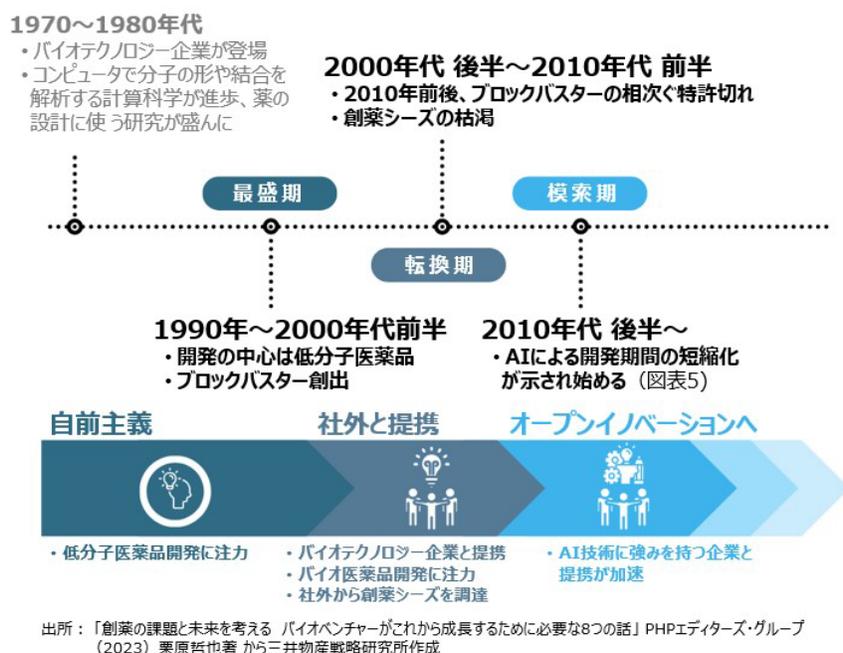
¹ 一般的に分子量が500以下のものを指す。

² 世界での年間売上額が10億ドルを超える医薬品。

³ 製薬企業は医薬品の特許を取得し、特許による保護期間（通常20年）に独占的に製造・販売することで、開発費を回収するとともに収益を確保する。特許保護期間が終了すると、製薬企業は独占権を失い、同じ品質・効果・安全性を持つ安価なジェネリック医薬品が市場に投入され、先発品との置き換えが進み、製薬企業は先発品の売り上げの大半を失うことになる。

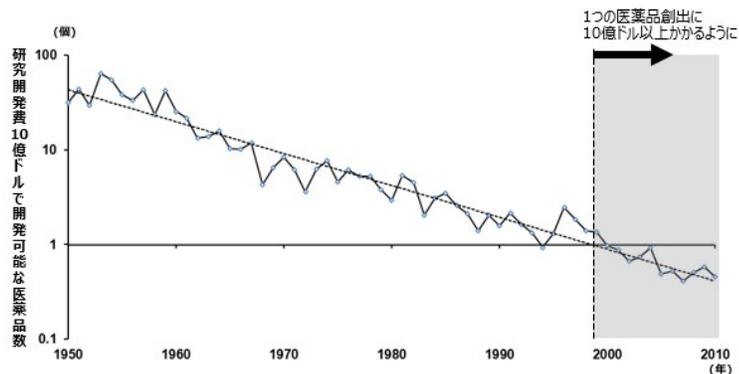
作用メカニズムを持つことが求められることから創薬の難易度が高まり、研究開発の効率は低下した（図表2）。こうした状況の中、製薬企業は、新たな領域の医薬品を効率的に開発するために外部と提携するようになる。バイオテクノロジー企業と提携し、抗体などのバイオ医薬品の開発に取り組み始め（図表3）、開発を加速させるためにバイオベンチャーやアカデミアなどの外部から創薬シーズを積極的に導入するようになった（図表4）。

図表1. 世界の製薬業界の変遷 — 創薬と業態の変化



図表2. 研究開発の効率の低下

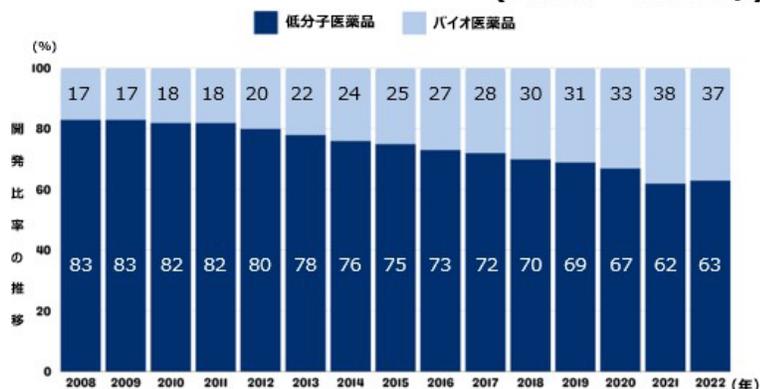
・2011年、PhRMA*に所属する製薬企業46社のデータに基づく



PhRMA*：米国研究製薬工業協会

出所：Diagnosing the decline in pharmaceutical R&D efficiency. Nat Rev Drug Discov. 2012 Mar 1;11(3):191-200. から三井物産戦略研究所作成

**図表3. 低分子医薬品とバイオ医薬品の開発比率の推移
(2008～2022年)**

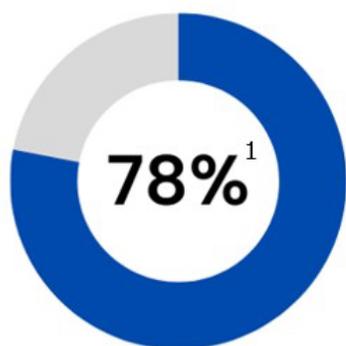


出所：Evaluate Pharma (Aug 2016, Aug 2022) から三井物産戦略研究所作成

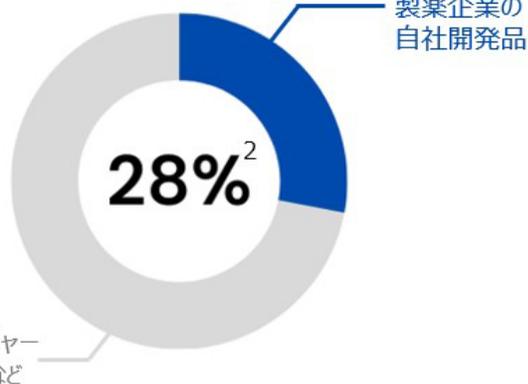
図表4. 創薬シーズ創出の主体者は、製薬企業から外部へシフト

- ・1990年代は創薬シーズの78%が製薬企業由来だったが、2015～2021年には製薬企業の自社開発品は28%に低下しバイオベンチャーやアカデミアなど外部由来が多く占めるようになった。

1993～1997年



2015～2021年



出所：Biotech drugs blaze a trail. Nat Biotechnol. 2006 Jul;24(7):736¹. ; Investigating the origins of recent pharmaceutical innovation. Nat Rev Drug Discov. 2023 Oct;22(10):781-782². から三井物産戦略研究所作成

2010年前後になると、機械学習や強化学習などのAI技術を創薬に活用する論文が多数報告⁴され始めたが、当時はAI技術に対して懐疑的な見方が多数を占めていた⁵。しかし、2010年代後半以降、AI技術の活用による創薬プロセスの短縮化が示されると注目されるようになり（図表5）、有用な技術を持つ社外パートナー

⁴ Automated design of ligands to polypharmacological profiles. Nature. 2012 Dec 13;492(7428):215-20. ; Network pharmacology: the next paradigm in drug discovery. Nat Chem Biol. 2008 Nov;4(11):682-90. など。

⁵ Inside the nascent industry of AI-designed drugs. Nat Med. 2023 Jun;29(6):1292-1295.

とのオープンイノベーションが加速した。

図表5. AI活用による創薬の開発期間の短縮化 – 研究開始から臨床試験入りまでを比較



FGFR2* (fibroblast growth factor receptor 2; 線維芽細胞増殖因子受容体2) : 細胞の表面に存在する受容体型チロシナーゼ (酵素) で線維芽細胞増殖因子 (FGF) と結合して、細胞内のシグナル伝達を活性化する。FGFRファミリーは4つのタイプがあり、FGFR2はそのうちのひとつとなる。この受容体に遺伝子異常が生じると、シグナル伝達が恒常的に活性化され、がんの発生や増殖が促進される (Advances and challenges in targeting FGFR signalling in cancer. Nat Rev Cancer. 2017. 17(5), 318-332.)。

TYK2* (tyrosine kinase 2; チロシナーゼ2) : ヤヌスキナーゼ (JAK) ファミリーに属する細胞内のシグナル伝達を担う非受容体型チロシナーゼで、炎症・免疫のプロセスに重要な役割を果たしている。

ネオアンチゲン* : がん細胞特異的に発現している抗原。

AIモデル* : Evaxionが独自開発した「PIONEER」, 「AI-Immunology」プラットフォーム。

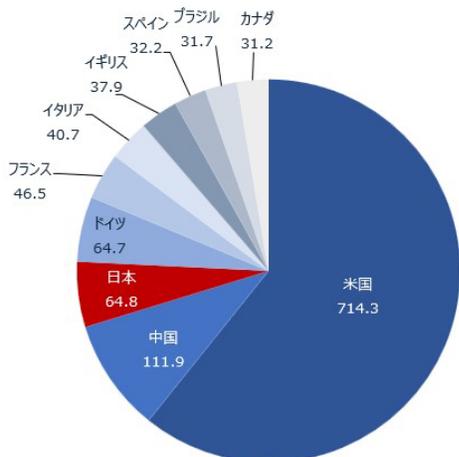
出所 : Wellcome Trust and Boston Consulting Group.Unlocking the potential of AI in drug discovery.Wellcome Trust. Published June 26th 2023., 各社ウェブサイト、各種報道から三井物産戦略研究所作成

1-2. 日本の創薬力と課題

日本の医薬品市場は世界で第3位だが (図表6a)、医薬品の開発品数は減少傾向にあり (図表6b)、国際的な競争力の低下が懸念されている。米国と比較すると、日本のバイオベンチャーを取り巻く創薬エコシステムは未成熟で、発達の遅れが指摘されている。近年は、日本政府による「バイオ戦略フォローアップ」など施策の後押しもあり、インキュベーション施設や大学発バイオベンチャーが増加しつつあるが、投資総額における欧米との差は依然として大きい⁶。

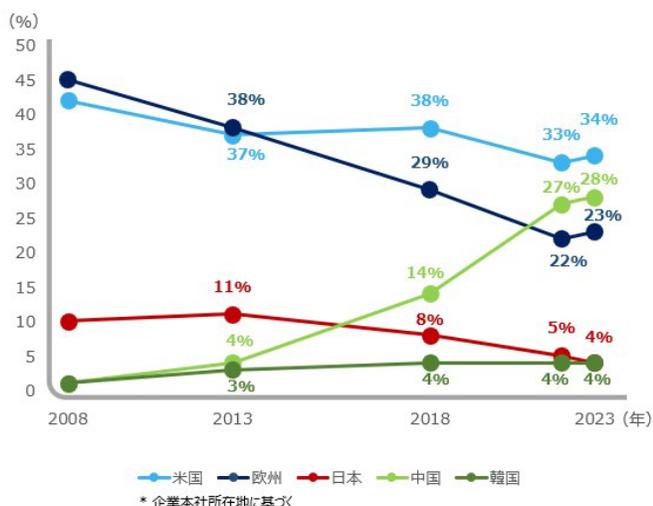
⁶ 各地域のベンチャーキャピタル投資総額 : 米国 約32兆円、欧州 約2.5兆円、日本 約0.32兆円 (一般財団法人ベンチャーエンタープライズセンター、ベンチャー白書2023 説明会)、2020年度バイオ分野への投資総額 : 米国 4.7兆円、日本 388億円 (JST研究開発戦略センター調査報告書「近年のイノベーション事例から見るバイオベンチャーとイノベーションエコシステム」p.79) ※1ドル=131.50円、1ユーロ=138.09円

図表6a. 世界の主要10カ国の製薬市場の売上高
(2023年, 単位: 10億米ドル)



出所: IQVIA (Statistaより引用) から三井物産戦略研究所作成

図表6b. 医薬品の開発品数 (臨床試験~承認申請)
国別シェア*, 2007~2022年



出所: IQVIA, Global Trends in R&D 2024. から三井物産戦略研究所作成

また、日本ではドラッグロスやドラッグラグ⁷が深刻な課題となっている。日本の医薬品市場は規模があり、医療制度も成熟しているものの、欧米に比べて薬価が低く、政府による薬価改定が原則2年ごとに行わ

⁷ ドラッグロスとは、欧米などの海外ですでに使用されている治療薬が日本では利用できない、または開発されていない状況を指し、ドラッグラグとは、新薬が海外で承認された後、日本国内で承認されるまでに時間がかかる事象を指す。

れるため収益性が低いと見なされている⁸。その結果、海外の製薬企業が日本で新薬開発や承認申請に消極的になり、2020年には欧米で承認された243品の72%が日本で未承認という状況に至った⁹。日本政府は規制緩和や薬事制度の見直しなど施策検討を進めているが¹⁰、日本国内の持続可能な創薬エコシステム発展による創薬力の強化も急務となる。

2. 創薬開発の課題解決に期待されるAI

2-1. AIによる創薬プロセスの効率化

これまで世界的に創薬は、不確実性が高い上に試行錯誤を重ねることが多く、専門人材の経験や勘に頼る部分もあり、膨大な時間とコストを要してきた（図表7）。このプロセスがAIの導入により大きく変わりつつある。AIによる膨大なデータセットの解析によって、疾患標的の迅速な特定や、何十億もの候補物質の中から有望なものを効率的に絞り込むことが可能となり、創薬開発にかかる時間・コストが削減されつつある（図表5、8）。2023年12月時点で、AIを活用した67の開発品が臨床試験に進んでおり、その数は増加し続けている（年平均成長率60%超）¹¹。また、2023年の大手製薬企業¹²（100億ドル超/2023年度の年間売上高）による同分野の取引額（公開データのみ）は、2019年の9億ドルから128億ドルと約14倍に増加し（図表9）、1件当たりの取引額も過去3年間の平均2,700万ドルから9,800万ドルに増加した¹³。

現在、AIが活用されている創薬開発の主な領域は、疾患標的の解析、候補品の設計・最適化、バーチャルスクリーニング¹⁴、臨床データの予測・解析などで、対象疾患は多い順に、がん、中枢疾患、免疫領域¹⁵となり、研究内容は、病態研究、低分子創薬分野となっている¹⁶。

⁸ 三井物産ウェルネス事業本部 オウンドメディア 陽だまり「製薬業界の課題と今後の動向－医薬品市場の推移やM&A」
<https://www.mitsui.com/wellness/1768/>

⁹ 医薬産業政策研究所 政策研ニュースNo.63（2021年7月）<https://www.jpma.or.jp/opir/news/063/08.html>

¹⁰ 第114回ライフサイエンス委員会 令和6年6月18日資料3-1「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議 中間とりまとめ概要」https://www.mext.go.jp/content/20240620-mxt_life-000036663_5.pdf

¹¹ How successful are AI-discovered drugs in clinical trials? A first analysis and emerging lessons. Drug Discov Today. 2024 Jun;29(6):104009.

¹² AbbVie, Amgen, AstraZeneca, Bristol Myers Squibb, Eli Lilly, Gilead, GlaxoSmithKline, Johnson & Johnson, Merck, Novartis, Novo Nordisk, Pfizer, Roche, Sanofi, Takeda.

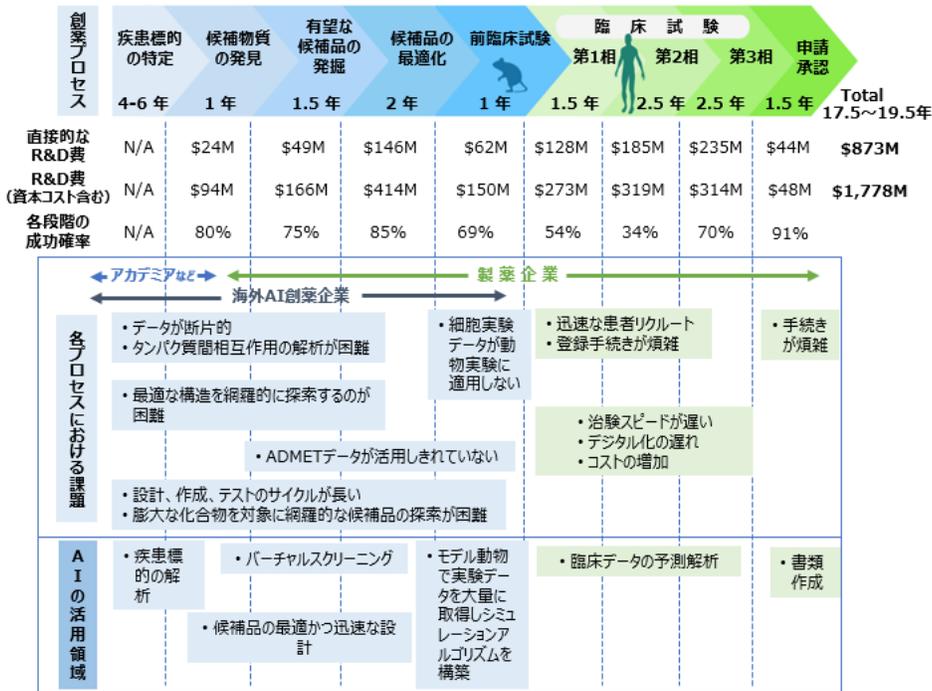
¹³ IQVIA, Global Trends in R&D 2024.

¹⁴ コンピューター上で疾患標的（タンパク質などの分子）と低分子化合物などの医薬品候補物質の相互作用をシミュレーションし、疾患標的に対して強い結合力を持つ候補品を選抜する方法。

¹⁵ AI in small-molecule drug discovery: a coming wave? Nat Rev Drug Discov. 2022 Mar;21(3):175-176.

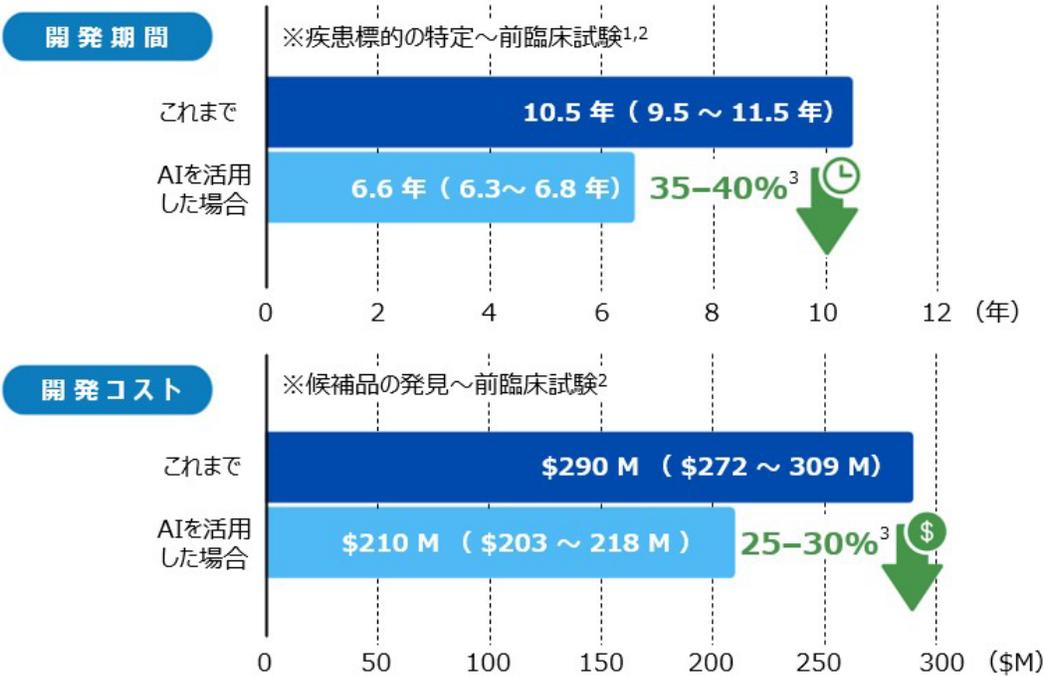
¹⁶ Wellcome Trust and Boston Consulting Group, Unlocking the potential of AI in drug discovery. Wellcome Trust. Published June 26th, 2023.

図表7. 創薬プロセスと課題・AIの活用領域



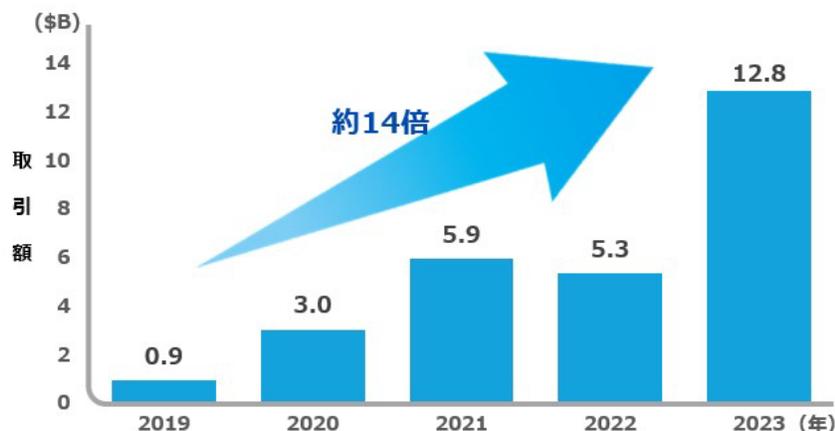
出所：How to improve R&D productivity: the pharmaceutical industry's grand challenge. Nat Rev Drug Discov. 2010 Mar;9(3): 203-14 ; Wellcome Trust and Boston Consulting Group, Unlocking the potential of AI in drug discovery. Wellcome Trust. Published June 26th, 2023. ; How successful are AI-discovered drugs in clinical trials? A first analysis and emerging lessons. Drug Discov Today. 2024 Jun;29(6):104009. から三井物産戦略研究所作成

図表8. AI活用による創薬開発の期間とコストの削減効果



出所：How successful are AI-discovered drugs in clinical trials? A first analysis and emerging lessons. Drug Discovery Today. Drug Discov Today. 2024 Jun;29(6):104009¹. ; How to improve R&D productivity: the pharmaceutical industry's grand challenge. Nat Rev Drug Discov. 2010 Mar;9(3):203-14². ; Wellcome Trust and Boston Consulting Group, Unlocking the potential of AI in drug discovery. Wellcome Trust. Published June 26th, 2023³. から三井物産戦略研究所作成

図表9. 大手製薬企業によるAI・データ解析分野の取引額推移



出所：IQVIA, Global Trends in R&D 2024. から三井物産戦略研究所作成

2-2. 国内外のAI企業の創薬における取り組み

北米を中心に独自のAI技術を用いて創薬を支援する企業は年々増加しており、日本でも同様な企業がいくつか存在する（図表10）。海外の代表的なAI企業である英Exscientia社は、仏Sanofi社とがんおよび免疫疾患のAI駆動型標的探索を目的に、2023年の最大取引額となる5,200万ドルの契約を締結した。また、加AbCellera Biologics社は、ヒト化マウス¹⁷を活用した研究開発が強みで、2022年末までに40社以上の製薬企業と提携している。

図表10. 国内外の創薬開発に取り組む代表的なAI企業

企業	強み	主な対応領域	取り組み内容
英 Exscientia	患者由来細胞を活用	疾患標的の特定～前臨床試験/低分子・抗体	患者由来細胞を解析し、マルチオミクスデータセットを構築し、標的探索・候補品開発での活用を目指す
加 AbCellera Biologics	ヒト化マウスプラットフォーム（免疫）	疾患標的の特定～前臨床試験/抗体	免疫システム（特に抗体生成に関わる部分）をヒト化したマウスを免疫・がん領域の研究開発に活用
米 Recursion	自動化実験システム・データセット	疾患標的の特定～前臨床試験/低分子	自動化された実験システムで取得したデータで機械学習アルゴリズムを構築し、標的探索・候補品開発で活用
日 Molcule	ロボットとAIの融合による実験の自動化	候補品の設計・評価/抗体	高分子医薬品の設計・評価、ロボットとAIの融合による実験の自動化に取り組む
日 Preferred Networks	物理化学的特性やADMETによる評価	候補品の発見～最適化/幅広い分子	AIを活用した大量の分子データの解析や効率的なスクリーニングによって、最適な候補品を迅速に選定する
日 Synthetic Gestalt	機械学習アルゴリズム構築	疾患標的の特定/酵素	疾患標的・仮説検証のための効率的な論文探索や非臨床試験段階における候補品の発掘支援

出所：Growth Indicators for Technology-enabled Drug Discovery (June 2023, Frost & Sullivan)、日経新聞ウェブサイト、Recursion ウェブサイト、革新的AI創薬（小長谷明彦 監修）から三井物産戦略研究所作成

¹⁷ 免疫システム（特に抗体生成に関わる部分）をヒト化したマウス。

3. 医療ビッグデータとAI

近年、Fitbitなどのウェアラブルデバイスから得られる睡眠や活動量といった日常の健康状態に関わる連続的なデータも医療ビッグデータの対象とすることもあるが、本稿では、具体的な取り組みが進んでいる診療情報とゲノム情報を医療ビッグデータとする。

3-1. 診療情報とゲノム情報

診療情報：近年、電子カルテの普及が進み、臨床検査、処方、医用画像、健康診断などの医療情報がビッグデータとして形成されつつある。これらデータを利活用するには、医療情報の標準化などの基盤整備が不可欠だ。日本では、厚生労働省が中心となって、標準化活動を推進する学会や民間団体から成る協議会で標準規格を整備し、普及を図っている。

ゲノム情報：ゲノム情報は、遺伝子の網羅的分子情報で、オミックスデータ¹⁸の一つである。現時点において、国内外の医療現場でがんや希少疾患の診断・治療を目的とした解析が行われているゲノム情報が新たな医療ビッグデータとして出現しつつある。

3-2. 医療ビッグデータの活用

承認にまで至った開発品は、臨床試験の第1相以前のものとは比べ、ヒトの遺伝的な事象に4倍関連があり、特定の遺伝子変異¹⁹に関与する開発品の成功確率は上がるとされている^{20, 21}。米国では、医療AI企業のTempus社が詳細な遺伝子検査を行い、ゲノム情報を診療情報とひもづけて統合的に解析し、患者一人ひとりのがん遺伝子変異に最適な個別化治療を提供し始めており、これまでと比べて治療法の提示率を大幅に改善している。また、この解析データは、がんを重点戦略領域とする英AstraZeneca²²や米Pfizer²³など大手製薬企業19社の創薬開発に活用されている。

日本国内の創薬のためのAI開発を目的とした取り組みには、「産学連携による次世代創薬AI開発(DAIIA)」がある。DAIIAでは、国内製薬企業17社が保有する情報を連合学習²⁴や秘密計算²⁵といった手法を活用して機密性を確保したまま活用し、①化合物プロファイル予測、②新規化合物提案、③オミックス

¹⁸ ゲノム情報以外のオミックスデータとして代表的なものには、細胞内で発現している遺伝子の網羅的情報「トランスクリプトーム」、細胞内に存在するタンパク質全情報「プロテオーム」、細胞内や組織における代謝分子の全情報「メタボローム」があり、これらを統合的に解析することは疾患標的や複雑な生命現象や病態の理解を深める上で有望視されている。

¹⁹ DNAの塩基配列に変化が生じ特定のアミノ酸が異なるアミノ酸に置き換わってしまう「ミスセンス変異」や、タンパク質の機能を損なったり、遺伝子に悪影響を及ぼしたりする「有害変異」。

²⁰ The support of human genetic evidence for approved drug indications. Nat Genet. 2015 Aug;47(8):856-60.

²¹ Are drug targets with genetic support twice as likely to be approved? Revised estimates of the impact of genetic support for drug mechanisms on the probability of drug approval. PLoS Genet. 2019 Dec 12;15(12):e1008489.

²² Tempus社ウェブサイト Press releases, [Tempus Signs Strategic Collaboration Agreement with AstraZeneca to Advance Oncology Therapeutics - Tempus](#)

²³ Tempus社ウェブサイト Press releases, [Tempus Announces New Strategic Collaboration with Pfizer to Advance Oncology Therapeutic Development - Tempus](#)

²⁴ 複数の各組織がそれぞれ保有する独自のデータを共有することなく、当該データを用いてAIモデルを共同で学習する技術。

²⁵ データを暗号化したまま計算処理を行う技術で、データの機密性を保持しながら安全に分析を実施する方法。

情報を含む多階層データを考慮した創薬のAIモデルの開発が進められている。このプロジェクトには、理化学研究所、京都大学、名古屋大学などの研究機関、企業では、NECやAI創薬ベンチャーのElixが参加しており、2024年4月から最終年度に入っている。この他にも「国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）」が主導する希少疾患の診断・治療法の開発を目的とした「未診断疾患イニシアチブ（IRUD）」は、国際コンソーシアムである「国際希少疾患研究コンソーシアム（IRDiRC）」と連携してデータ共有と標準化を進めており、国内外の患者支援と治療法開発の基盤強化に向けた取り組みも進められている。

4. 今後の展望

2015年の報告では、医薬品の候補化合物の半数以上が安全性や有効性において不十分で、それが臨床試験の第1相、第2相での失敗につながっていることが示されている^{26,27}。まさにAIは、この化合物の安全性や有効性の最適化において活用されており、2023年の12月時点でAIを活用した医薬品候補の臨床試験第1相、第2相の成功率がそれぞれ80~90%、40%に達しており¹³、従来のそれぞれの成功確率（54%、34%）²⁸を上回っている。また、疾患標的の対象となるタンパク質は20,000以上存在しているが、これまでに承認された医薬品に対応するタンパク質は650に過ぎず²⁹、低分子創薬の対象となる化合物の数は、10の60乗以上ともいわれている³⁰。つまり、膨大なデータセットの解析が可能なAIを活用することで、これまで技術的な限界から検討が不十分だったタンパク質や化合物を対象に十分な探索が実現し、医薬品候補となる新規物質が発見・創出される可能性が高まっていると思われる（図表11）。

そして、医療ビッグデータとAIの活用によって実現が期待されているのは、個別化医療である。より詳細な医療ビッグデータの解析によって、新たな疾患分類法の確立や、希少疾患の診断・治療、がんの予防・発見・治療の初期段階で全ゲノム解析が日常的に行われるようになることが指摘されている³¹。

今後、各製薬企業が社外パートナーと連携してAI技術を活用した創薬開発や医療ビッグデータを活用して競争力を得れば、アカデミアやAI技術を活用した創薬支援企業を含む創薬エコシステム全体が活発化し、医薬品開発の成功率が高まり、医療の進化がさらに加速するだろう。

²⁶ The Emerging Role of Mass Spectrometry-Based Proteomics in Drug Discovery. *Nat Rev Drug Discov.* 2022 Sep;21(9):637-654.

²⁷ An Analysis of the Attrition of Drug Candidates from Four Major Pharmaceutical Companies. *Nat Rev Drug Discov.* 2015 Jul;14(7):475-86.

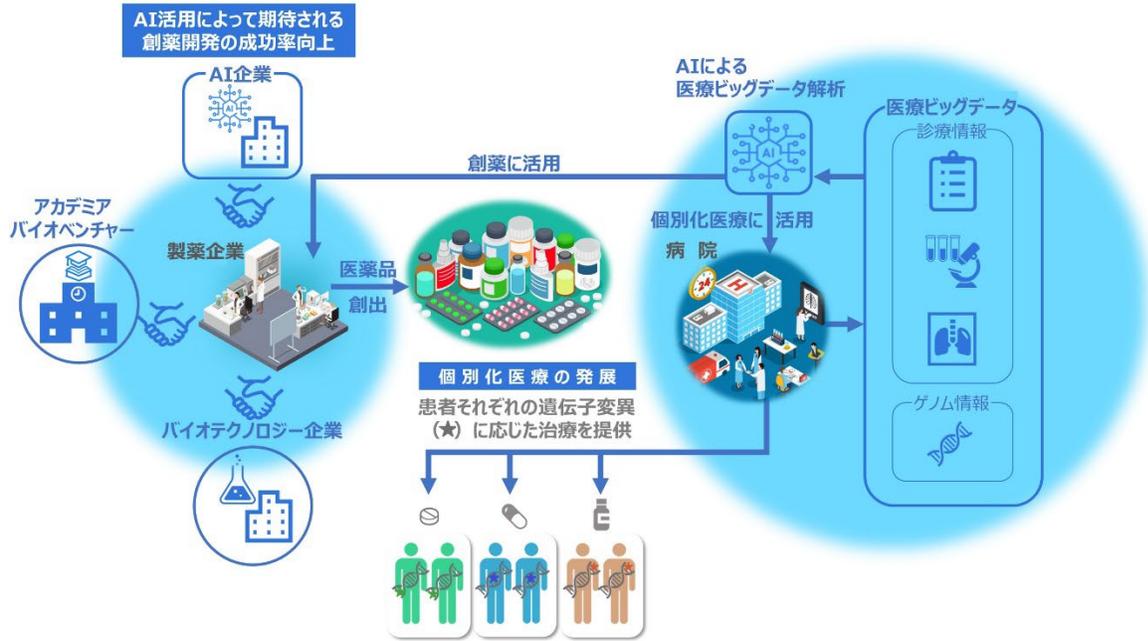
²⁸ How to improve R&D productivity: the pharmaceutical industry's grand challenge. *Nat Rev Drug Discov.* 2010 Mar;9(3):203-14.

²⁹ 2016年までにFDAが承認した600 (A Comprehensive Map of Molecular Drug Targets. *Nat Rev Drug Discov.* 2017 Jan;16(1):19-34.) と、2019年から2023年の間に欧米日で承認された約50を合わせた数となる (Novel Drug Targets in 2019. *Nat Rev Drug Discov.* 2020 May;19(5):300. ; Novel Drug Targets in 2020. *Nat Rev Drug Discov.* 2021 May;20(5):333. ; Novel Drug Targets in 2021. *Nat Rev Drug Discov.* 2022 May;21(5):328. ; Novel Drug Targets in 2022. *Nat Rev Drug Discov.* 2023 May;22(6):437. ; Novel Drug Targets in 2023. *Nat Rev Drug Discov.* 2024 May;23(5):330.) 。

³⁰ Chemical space and biology. *Nature.* 2004 Dec 16;432(7019):824-8.

³¹ Precision medicine in 2030—seven ways to transform healthcare. *Cell.* 2021 Mar 18;184(6):1415-1419.

図表11. AIと医療ビッグデータの活用による創薬開発の成功率向上と個別化医療の発展



出所 : [Designed by macrovector_official](#), [macrovector](#), [sentavio](#) / Freepik から三井物産戦略研究所作成

当レポートに掲載されているあらゆる内容は無断転載・複製を禁じます。当レポートは信頼できるとされる情報ソースから入手した情報・データに基づき作成していますが、当社はその正確性、完全性、信頼性等を保証するものではありません。当レポートは執筆者の見解に基づき作成されたものであり、当社および三井物産グループの統一した見解を示すものではありません。また、当レポートのご利用により、直接的あるいは間接的な不利益・損害が発生したとしても、当社および三井物産グループは一切責任を負いません。レポートに掲載された内容は予告なしに変更することがあります。